专题：科技预算绩效评价的理论与实践
Theory and Practice of S&T Performance Budgeting Evaluation

引用格式：韩志凌, 李柏村, 肖小溪, 等. 美国联邦政府资助和管理阿尔茨海默病研究项目的实践与启示. 中国科学院院刊, 2023, 38(2): 219-229, doi: 10. 16418/j.issn.1000-3045.20230106003.
Han Z L, Li B C, Xiao X X, et al. Practice and implications of funding and management of Alzheimer's disease research programs in the United States federal government. Bulletin of Chinese Academy of Sciences, 2023, 38(2): 219-229, doi: 10.16418/j.issn.1000-3045.20230106003. (in Chinese)

美国联邦政府资助和管理阿尔茨海默病研究项目的实践与启示

韩志凌[1,2]　李柏村[3]　肖小溪[1,2*]　李晓轩[1,2]

1 中国科学院科技战略咨询研究院 北京 100190
2 中国科学院大学 公共政策与管理学院 北京 100049
3 福州大学 经济与管理学院 福州 350108

摘要 如何资助和管理面向科学前沿或国家需求的重大科研项目（包括选题、资助、绩效评价等方面），是我国当前面临的一个紧迫问题。文章以美国联邦政府组织开展阿尔茨海默病的研究为对象，经案例研究发现，美国形成了一套有效的重大科研项目资助与管理机制，主要包括组织动员、目标管理、绩效评估、预算听证4个方面，以此实现对重大科研项目的绩效管理，保证财政科技投入效能。文章探讨了美国在重大科研项目资助和管理上的实践与经验，并提出对我国的启示。

关键词 财政科技投入，阿尔茨海默病，绩效管理

DOI 10.16418/j.issn.1000-3045.20230106003

面向国家需求或科学前沿的重大科学问题设立重大研究计划和项目，是我国也是国际上通行的一种科研组织方式，但如何资助和管理这类计划和项目是我国当前面临的一个紧迫课题。参与项目众多但彼此联系松散、项目结题时产出众多但整体效果不明显，是当前我国在资助和管理重大科学计划和项目上存在的较大问题。

他山之石，可以攻玉。美国联邦政府在资助和管理重大科研项目方面形成了一套比较有效的制度安排。本文选择美国国立卫生研究院（NIH）组织及资助阿尔茨海默病及相关痴呆症（以下简称“阿尔茨海默病”）相关的重大研究项目为对象开展案例研究，旨在揭示美国在阿尔茨海默病相关重大研究项目的组织动员、目标管理、绩效评估、预算听证4个方面的成功经验，以期为我国完善重大科学计划和项目的资助和管理提供借鉴。

*通信作者
资助项目：中国科学院战略研究专项项目（GHJ-ZLZX-2022-22-3），中国科学院条件保障与财务局委托项目（E2J0471601）
修改稿收到日期：2023年1月17日

1 美国联邦政府资助和开展阿尔茨海默病相关研究的背景和成效

阿尔茨海默病是一种起病隐匿的、进行性发展的神经系统退行性疾病，临床上以记忆障碍、失语、失用、失认、视空间技能损害、执行功能障碍，以及人格和行为改变等全面性痴呆表现为特征。2021 年，阿尔茨海默病被世界卫生组织列为全球十大致死原因中的第 8 位①。美国阿尔茨海默病协会（Alzheimer's Association）发布的 2022 年度报告表明，阿尔茨海默病对美国国家医疗保健系统带来沉重负担：2022 年约 650 万美国人患有阿尔茨海默病，预计到 2050 年患者将达到 1 270 万；2021 年阿尔茨海默病造成的经济成本共计 3 550 亿美元，预计到 2050 年将上升至 1.1 万亿美元；2019 年美国因阿尔茨海默病造成的死亡数相比 2000 年上升了 145%[1]。

鉴于阿尔茨海默病给美国民众带来沉重的健康和经济负担，近 20 余年，美国联邦政府主要通过 NIH 增加对阿尔茨海默病的研究预算经费（图 1）；尤其是 2015 财年以来联邦投入增幅迅猛，2023 财年 NIH 投入到阿尔茨海默病的预算增长到 2015 财年的约 6 倍，高达 37.79 亿美元。得益于有力的财政支持，近年来美国阿尔茨海默病的研究取得重大进展。研究人员了解到更多与这些疾病有关的遗传因素和分子机制，如 DNA 损伤、细胞衰老和能量功能障碍；开发了新一代可用来识别、探索和验证疾病机制及各种潜在药物靶点的研究工具；并且，在确定行为和生活方式等风险因素如何影响阿尔茨海默病方面也取得了进展。尤其是近年有 2 款针对阿尔茨海默病的新药获得美国食品药品监督管理局（FDA）批准，即：2021 年 6 月获批准的 Aduhelm，其有效成分为阿杜那单抗（aducanumab）；2023 年 1 月获批准的 Leqembi，其有效成分为仑卡奈单抗（lecanemab）。这 2 款新药均由美国渤健（Biogen）公司和日本卫材药厂合作研发，且均由 FDA 通过加速审批通道批准。此前，FDA 批准通过 5 款用于治疗阿尔茨海默病的药物都只能暂时缓解相关症状，但不能控制该病造成的大脑变化，也不能控制疾病进程。这 2 款新药主要通过减少

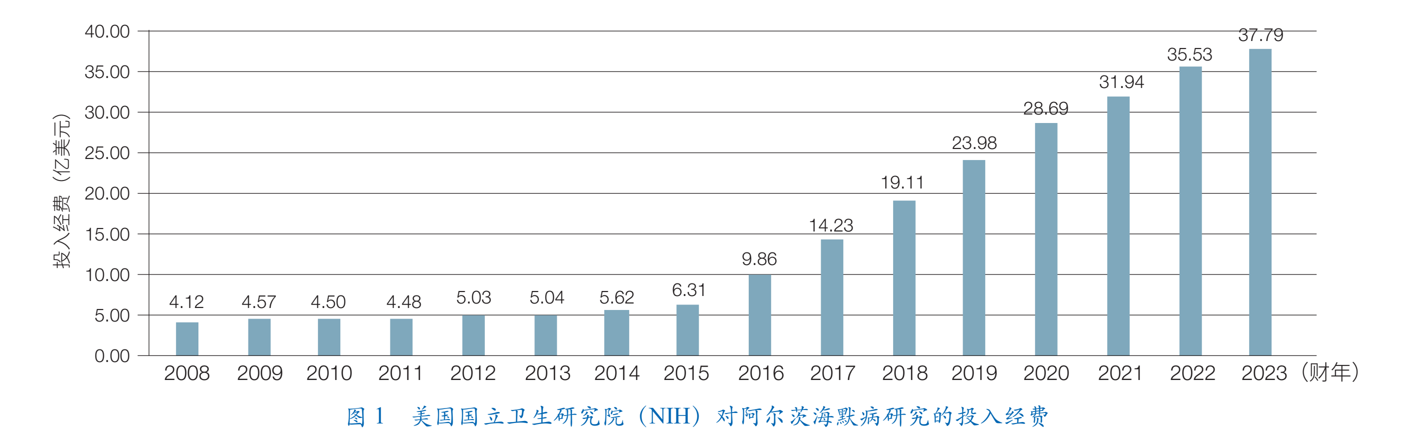


图 1　美国国立卫生研究院（NIH）对阿尔茨海默病研究的投入经费

Figure 1　NIH funding for Alzheimer's disease research

数据来源：NIH 网站按照不同研究和疾病种类公布的经费投入概算数据（https://report.nih.gov/funding/categorical-spending#/）和美国阿尔茨海默病协会网站有关阿尔茨海默病研究的经费投入数据（https://www.alzimpact.org/appropriations）；NIH 按照疾病种类进行经费投入统计和公布始于 2008 年，故 2008 年之前的经费投入量在此图中缺失

Data source: Estimates of Funding for Various Research, Condition, and Disease Categories (RCDC) from NIH website (https://report.nih.gov/funding/categorical-spending#/), and Investing in Alzheimer's Research and the Public Health Infrastructure (https://www.alzimpact.org/appropriations) from Alzheimer's Association website; for NIH began publishing funding data by disease category in 2008, so funding data before 2008 are missing in this chart

① World health statistics 2021: Monitoring health for the SDGs, sustainable development goals. (2021-05-20)[2023-01-29]. https://www.who.int/publications/i/item/9789240027053.

大脑中的淀粉样斑块来改变阿尔茨海默病导致的更关键的生物学变化，而不是仅缓解症状。新药背后关键性、基础性的研究工作主要得益于NIH提供的经费支持。在经过快速审批程序获批准后，这2款新药的后续临床试验目前仍在NIH的支持下开展[1,2]。

2 美国联邦政府资助和开展阿尔茨海默病相关研究的实践

2.1 通过颁布法案保障联邦投入，有序动员和组织全国的优势科研力量

由于长期以来缺乏有效的药物，阿尔茨海默病曾被认为无法治愈、无法预防、无法减缓，因而被美国联邦政府视为影响美国公民健康状况、有待召集优势科研力量进行联合攻关的重大问题之一。近10年来，美国通过颁布法案、加大投入、部署项目等措施动员和组织优势科研力量共同开展阿尔茨海默病的相关研究。

（1）通过颁布专门的法案，保障阿尔茨海默病研究的联邦投入。1999年，NIH下属的国立老龄化研究所（NIA）联合非营利机构班纳阿尔茨海默病研究所（BAI）启动了“阿尔茨海默病预防计划”（Alzheimer’s Disease Prevention Initiative），旨在推进科学研究与药物开发以预防和治疗阿尔茨海默病。2011年1月，美国国会立法《国家阿尔茨海默病计划法案》要求美国卫生与公众服务部（HHS）建立“国家阿尔茨海默计划”（National Alzheimer’s Project）②。由此，此前NIH层面的资助行为被提升为美国国家层面的资助计划，并获得法律保障。

（2）依托自身的国家战略科技力量，NIH开展高水平的内部研究。美国联邦政府投入阿尔茨海默病相关研究主要通过NIH来落实。约10%的联邦政府投入经费主要用于NIH下属的NIA和国立神经紊乱和中风研究所（NIND）的科研人员开展研究，称为“内部研究项目”（intramural program）。近年来，这2个研究所的科研人员主要在NIH园区内新成立的罗伊·布朗特阿尔茨海默病和相关痴呆症研究中心（CARD）进行科学研究[3]。CARD可利用NIH园区中包括NIH临床中心的独特资源，由来自NIA和NIND的研究人员与来自全球各地的访问研究人员并肩工作，开展旨在加速科学发现转化为现实应用的具体项目。NIA和NIND内承担开展内部研究项目的部门和科学家，每4年要接受1次由外部专家组成的科学顾问委员会（Board of Scientific Counselors）的评议，以此保障内部研究的高水准。

（3）遴选和资助大学、科研机构和企业中的优势力量，与NIH内部研究形成合力。美国NIH投入阿尔茨海默病的研究经费中超过80%的经费用于“对外资助研究项目”（extramural program），主要由NIA和NIND担任资助机构的角色，遴选和资助美国大学、企业和非营利机构的科学家提出的项目申请。与NIH的其他研究所一样，NIA和NIND都是采用2个阶段的独立专家评审来遴选项目申请书：① 第1阶段——函评，主要由不在NIH工作的外部专家独立完成；② 第2阶段——会评，由NIA和NIND的国家顾问委员会（National Advisory Councils）来完成，成员主要是不在NIH工作的外部高水平科学家，另有少数是公众代表。通过这种遴选机制，NIH保障对外研究项目能够委托给高水平的外部科学家，并强调NIH自身科研力量开展的内部研究与外部资助项目相互补充，使国内有关的大学、科研机构和企业形成合力，共同攻克阿尔茨海默病这一难题。

2.2 建立有效的目标管理机制，稳步推进阿尔茨海默病研究的里程碑

按照美国1993年《政府绩效与结果法案》（GPRA）与《2010年GPRA现代化法案》的要求，

② National Alzheimer's Project Act. [2023-01-20]. https://aspe.hhs.gov/collaborations-committees-advisory-groups/napa#NAPA.

任何一笔联邦财政投入都需要制定明确的绩效目标，以便于通过绩效评估保障财政投入的效能。以美国财政投入阿尔茨海默病研究为例，美国联邦政府通过目标管理机制，使国家需求得以落实。

（1）组织专家制定国家规划，使科技界充分参与阿尔茨海默病研究的目标管理。2011 年，在《国家阿尔茨海默病计划法案》的授权下，HHS 召集了美国相关公共部门和私有部门的专家成立了阿尔茨海默病研究、治疗和服务顾问委员会。该顾问委员会主要职责包括：为 HHS 制定首份阿尔茨海默病国家规划及其优先事项提供咨询建议；每年对阿尔茨海默病国家规划的实施情况开展 1 次评估，并支撑 HHS 对阿尔茨海默病国家规划进行每年 1 次的更新。在该顾问委员会的指导下并参考社会公众通过邮件提交的意见建议，2012 年美国 HHS 发布了《应对阿尔茨海默病的国家规划》，明确提出要在 2025 年实现预防和有效治疗阿尔茨海默病[4]。此后，该目标成为美国国家层面支持阿尔茨海默病研究所希望达到的总体科研目标，基本覆盖了阿尔茨海默病患者从没有症状、出现症状、轻度痴呆、中度痴呆到重度痴呆的整个过程（图 2）。阿尔茨海默病研究、治疗和服务顾问委员会制度一直延续至今，每个季度举行 1 次公开会议，并根据需要不定期举行闭门会议。当前，该委员会由 23 位成员组成：① HHS 机构成员 8 位，即来自美国疾病控制与预防中心（CDC）、NIH、美国医疗保健与研究质量局（AHRQ）等的 HHS 系统人员；② 其他联邦政府机构成员 3 位，分别来自美国国家科学基金会（NSF）、美国退伍军人事务部（VA）、美国国防部（DOD）；③ 非联邦政府成员 12 位，分别是 2 位患者代表、2 位护理人员、2 位医疗服务机构代表、2 位州政府卫生部门代表、2 位科研人员和 2 位健康协会志愿者代表③。

（2）从宏观到微观逐层分解，使国家需求落实为具体的科研项目部署。在《2010 年 GPRA 现代化法案》的要求下，美国联邦政府每个部门每 4 年要制定相关战略规划，以阐述部门使命、要达成的战略目标与衡量进展情况的方法。HHS 最新的 2022—2026 财年战略规划中具体提出了五大方面的战略目标，其中第 4 个方面的战略目标与科学研究相关，即“恢复（公众对科学的）信任，加快科学和研究的进步以造福所有人”④。尽管这一战略目标下面又分为 4 个子目标（strategic objectives）⑤，但总体上 HHS 层面与科研相关的战略目标是相对宏观的，需要 HHS 下属机构 NIH 来落实。为此，NIH 每年都集合学术界、产业

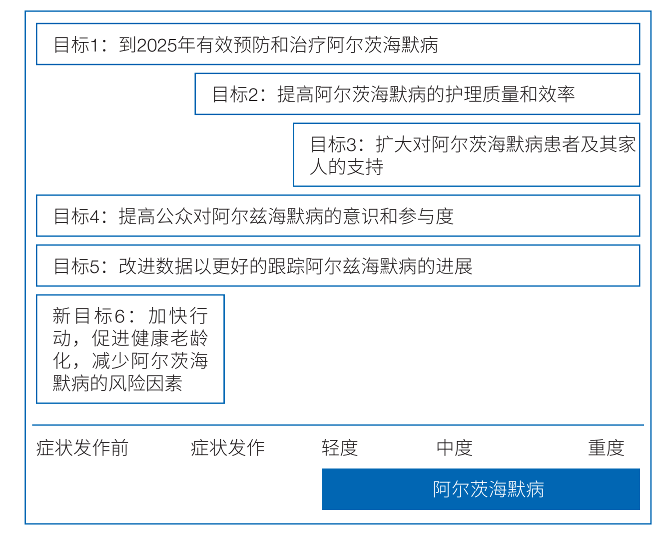


图 2　美国《应对阿尔茨海默病的国家规划（2021 年修订）》六大目标[5]

Figure 2　Six goals in *National Plan to Address Alzheimer's Disease (2021 Update)*[5]

新目标 6 是 2021 年新增加的目标，此前的规划只有五大目标，由此凸显了美国对阿尔茨海默病症状发作之前的提前诊断的重视

New goal 6 was added in 2021 compared with five goals in the previous plan, indicating the emphasis in the United States on early diagnosis of Alzheimer's disease before the onset of symptoms

③ NAPA Advisory Council Members. [2023-01-25]. https://aspe.hhs.gov/collaborations-committees-advisory-groups/napa/napa-advisory-council/napa-advisory-council-members.

④ HHS Strategic Plan FY 2022—2026. (2022-03-28)[2023-01-25]. https://www.hhs.gov/about/strategic-plan/2022-2026/index.html.

⑤ Strategic Goal 4: Restore Trust and Accelerate Advancements in Science and Research for All. [2023-01-25]. https://www.hhs.gov/about/strategic-plan/2022-2026/goal-4/index.html.

界、政府部门、以患者和志愿者为主要代表的社会公众等各类利益相关方举行 1 次战略研讨，以便将代表科学界意见建议的、国家层面的专门规划（即《应对阿尔茨海默病的国家规划》）和上级部门 HHS 战略规划中的科研目标进一步落实为执行过程中的节点要求（即跨年度绩效目标）。最终，NIH 的战略目标进一步落实为其下属研究所层面（NIA 和 NIND）的战略目标，如 NIA 的战略目标中有关阿尔茨海默病的目标（表 1），指导相关研究所进行内部研究部署和外部项目资助，使得宏观的政府目标逐渐微观化和实操化（图 3）。

（3）尊重科学研究的基本规律，制定阿尔茨海默病研究的三大跨年度绩效目标。NIH一方面在上级机构HHS和组织实施阿尔茨海默病相关研究的下属研究所之间发挥承上启下的作用，另一方面作为美国联邦机构直接接受《2010年GPRA现代化法案》有关战略规划和年度绩效计划的要求，因而NIH担当起制定阿尔茨海默病研究的跨年度绩效目标的重任。由于科学研究工作具有不确定性和长期性，这种跨年度、里程碑式的目标更适宜用于科学研究领域的目标管理。这些目标本质上都是NIH针对阿尔茨海默病研究提出的“科学目标”（scientific research outcomes），因此命名以 SRO 简称并加上相应的编号。NIH 采用两维度

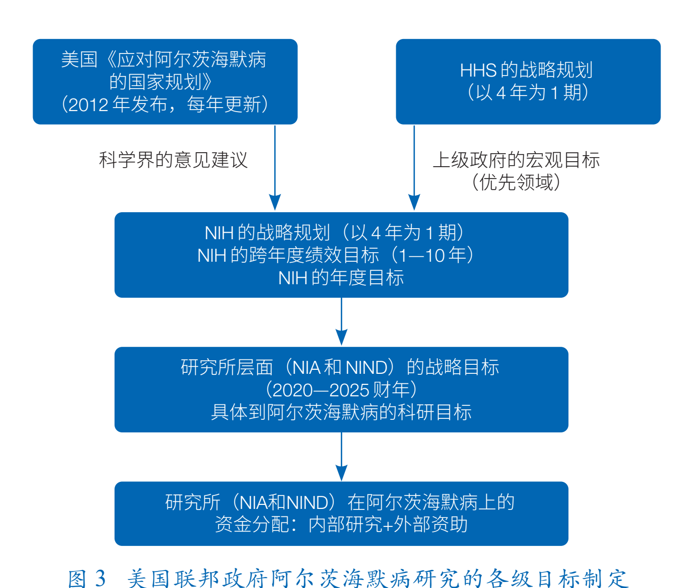


图 3　美国联邦政府阿尔茨海默病研究的各级目标制定
Figure 3　Goals setting of Alzheimer’s disease research at different levels in the United States federal government

的方法来提出科学研究的跨年度绩效目标：维度 1 是实现的难度，划分为高、中、低共 3 档；维度 2 是完成绩效的时间跨度，划分为 1—3 年、4—6 年、7—10 年共 3 档。这 2 个维度共同构成了 3×3 的矩阵（表 2）。迄今为止，NIH 分别于 2004 财年、2014 财年和 2018 财年共提出了 3 项阿尔茨海默病研究相关的跨年度绩效目标，分别是 SRO-3.1、SRO-5.3 和 SRO-2.8（表 3）。这 3 项目标在实现难度上都是中、高难度，所需的时间跨度都较长。

由此，美国联邦财政投入阿尔茨海默病的研究形

表1　2020—2025年美国国立老龄化研究所（NIA）战略目标中阿尔茨海默病研究目标[6]
Table 1　NIA strategic goals on Alzheimer’s disease research[6]

战略目标	NIA有关阿尔茨海默病的战略子目标
提高对大脑衰老、阿尔茨海默病和其他神经退行性疾病的了解；制定干预措施，以解决阿尔茨海默病和其他与年龄相关的神经系统疾病	子目标1：了解正常大脑老化的机制，可塑性和弹性在维持大脑功能中的作用，认知和睡眠在日常功能中的作用，以及感觉、运动、情绪、认知和睡眠功能的保护因素
	子目标2：识别和理解阿尔茨海默病和其他衰老神经退行性疾病发病机制的遗传、分子和细胞机制
	子目标3：改进评估和诊断工具，以区分大脑正常老化的人和患有轻度认知障碍（MCI）、阿尔茨海默病和相关疾病的人
	子目标4：将基本发现转化为阿尔茨海默病和其他与年龄相关的神经疾病的有效治疗和/或预防策略
	子目标5：更好地理解和制定干预措施，以解决阿尔茨海默病患者的特殊护理需求及其护理人员的需求
	子目标6：跟踪阿尔茨海默病的流行病学趋势，包括将新的治疗措施纳入国家研究调查中

成了从 HHS 到 NIH，再到 NIA 和 NIND，最后到阿尔茨海默病具体科研项目部署的逐层目标，用于实际指导美国联邦财政支持的阿尔茨海默病的科研项目部署和成效评估。

2.3 开展符合科学研究特点的绩效评估，为阿尔茨海默病相关研究进行质量把控

自从 1999 年 NIH 开始投入阿尔茨海默病的基础和临床研究，这些联邦资金是否推动了该领域的科学研究？相关部门如何开展这类资金投入的绩效评估？由于 NIH 的大部分经费都是用于基础和临床科研，这类研究往往难以按照行政部门的方式开展绩效评估。早在 1993 年美国联邦政府推出《GPRA 法案》时，美国国内就掀起了关于基础研究能否开展绩效评估的讨论[10]。从近 30 年的美国实践来看，NIH 和 NSF 遵从了 1993 年《GPRA 法案》和《2010 年 GPRA 现代化法案》中有关绩效管理的要求，而且探索形成了符合科学研究特点的绩效评估方法，从而推动了美国联邦财政科技投入的有效性。

（1）根据科学研究特点，设立描述性的年度目标。迄今为止，NIH 共提出了 3 项阿尔茨海默病相关的跨年度绩效目标。这些跨年度绩效目标在 NIH 的年度绩效报告中落实为描述性目标，主要描述研究过程中的渐进式发现和对疾病相关的基础性生命过程的更多理解。例如，从 2014 财年开始，NIH 设立了 1 个中难度的跨年度绩效目标（SRO-5.3），即“到 2023 年，识别晚发性阿尔茨海默病的风险，以及发现有助于形成创新性治疗方法、药物靶点或者预防路径的保护性等位基因”。在 2014 财年以来的 NIH 年度绩效报告中，这一跨年度战略目标被分解为每年的描述性目标，且年度描述性目标的确定是根据科学研究的推进情况来设定的：① 发现基因、确认基因；② 基因信息扩大到不同种群进行分析；③ 协调表型数据与阿尔茨海默病测序项目（ADSP）⑥遗传数据；④ 以人工智能方法分析 ADSP 遗传数据；⑤ 达成目标。同样，NIH 在 2004—2013 财年实现的跨年度绩效目标（SRO-3.1），在进行年度的绩效目标设立时，也遵循科学研究的基本规律，即：从探索性试验到具体方案制定，再推进非临床研究，最后是临床验证。

（2）既关注项目绩效，更重视重大科学

表2　美国国立卫生研究院（NIH）科学研究跨年度绩效目标体系
Table 2　NIH multi-year performance goals in scientific research outcomes measures matrix

指标	难度	完成绩效的时间跨度		
		1—3年	4—6年	7—10年
实现的难度	高难度	SRO-1.X	SRO-2.X	SRO-3.X
	中难度	SRO-4.X	SRO-5.X	SRO-6.X
	低难度	SRO-7.X	SRO-8.X	SRO-9.X

表3　美国国立卫生研究院（NIH）近20年来阿尔茨海默病相关的跨年度绩效目标
Table 3　NIH multi-year performance goals related to Alzheimer’s disease research over recent two decades

绩效目标名称	提出时间	具体内容	实现的难度	完成绩效的时间跨度
SRO-3.1[7]	2004财年	到2013年，找到至少1种临床干预方法能够延缓阿尔茨海默病的发展、延缓其发作时间或者预防该疾病	高难度	7—10年，具体是从2004—2013财年
SRO-5.3[8]	2014财年	到2023年，识别晚发性阿尔茨海默病的风险，以及发现有助于形成创新性治疗方法、药物靶点或者预防路径的保护性等位基因	中难度	7—10年，原定于2014—2020财年完成，后延长至2023年完成
SRO-2.8[9]	2018财年	到2023年，推进3种针对阿尔茨海默病的创新药或生物治疗候选药，使其进入到人体实验的第1阶段	高难度	4—6年，具体是从2018—2023财年

⑥ Alzheimer’s Disease Sequencing Project Consortia. [2023-01-25]. https://www.nia.nih.gov/research/dn/alzheimers-disease-sequencing-project-consortia#extension.

进展。作为具体开展和资助阿尔茨海默病相关研究的研究所，NIA 和 NIND 通过项目/课题的绩效评估对项目成效进行严格把关。1993 年的《GPRA 法案》和《2010 年 GPRA 现代化法案》则重在从阿尔茨海默病相关研究的整体绩效进行问责，要求作为联邦机构的 NIH 每年开展绩效评估。尽管 NIA 和 NIND 的项目/课题绩效为 NIH 的绩效评估提供了基础数据，但是这些项目/课题的绩效情况是十分零散的。NIH 层面需要对阿尔茨海默病相关研究中的重大科学进展进行梳理，并以讲故事的方式呈现，更好地展示阿尔茨海默病相关研究的整体绩效。具体来看，NIH 相关部门从 NIA 和 NIND 资助过或开展过的科研活动中，抽取代表性的重大进展，形成 NIH 上一财年的各项重大科学进展。一般而言，每 1 项科学进展仅用 1 页纸的篇幅描述其研究背景、研究进展与突破、研究意义与影响、成果应用与经济效益等内容。此外，NIH 还会通过 3 种形式对重大科学进展进行整体性的补充介绍：① 科学胶囊，围绕 NIH 的某个年度目标，将若干项相关的重大科学进展进行综合概述，使评估专家能够更全面、更准确地理解这些重大科学进展，并对 NIH 的年度目标完成情况进行判断；② 科学故事，针对那些经过长周期的投入而取得的研究发现进行大概 2 页纸的描述，以故事形式追溯过去几十年来这一研究进展的背景、意义及由此产生的经济效益；③科学奖励，NIH 为重大科学进展提供其获得的国家和国际科学奖项/荣誉的补充说明。

（3）依靠专家评议，判断年度目标的完成情况。早在 1999 年美国国家科学院联合体完成的政策咨询建议《评估联邦的研究计划：科学研究和政府绩效与评估法案》中就明确提出，NIH 和 NSF 等联邦科技机构应当运用专家评议的方式来评估研究的质量、相关性和国际领先水平[11]。这一建议被美国联邦政府采纳并在《2010 年 GPRA 现代化法案》生效后得到延续。具体来看，NIH 领导的一个评估小组负责对 NIH 的年度目标完成情况进行评估，该评估小组由 NIH 主任咨询委员会成员、公共代表主任委员会成员及研究所、研究中心国家咨询委员会成员组成[12]。评估小组依据的证据主要来自 NIH 项目资助情况、论文、数据库、奖励、项目等产出情况，以及 NIH 工作人员整理形成的重大科学进展材料。评估小组基于这些证据，重点围绕 5 个方面开展讨论并形成评估意见：① 是否增加了关于生物功能正常与否的知识；② 是否研发或改进了用于研究和医学的仪器和技术；③ 是否研发或改进了方法来预防或延缓疾病和残疾的发生或发展；④ 是否研发或改进了方法来诊断疾病和残疾；⑤ 是否研发或改进了方法来治疗疾病和残疾[13]。评估结果分为目标未完成（not met）、目标完成（met）、目标超额完成（exceeded）3 档；有些情况下还会对目标未完成的情况进一步说明，该目标是处于进展中（in progress）还是处于暂停状态（pending）。这种通过专家评议判断科学研究是否达到关键节点的做法，既有利于实操也有利于推动科学研究的进展。

2.4 建立基于循证决策的预算制度，保障阿尔茨海默病研究的效能

从美国联邦政府投入阿尔茨海默病相关研究的案例来看，美国联邦科技预算总体上与绩效问责紧密关联，是典型的基于循证决策的预算制度。同时，美国联邦科技预算也十分重视对那些具有重要意义的战略性基础研究和临床研究议题进行长期支持，追求联邦科技投入的效能而不仅仅是效率。

（1）在国会层面开展基于听证制和投票制的预算审批。美国联邦政府的预算不仅要分别获得参议院和众议院的拨款委员会通过，还要获得国会全体会议通过，并且最终得到总统签字认可后才具有法律效力。具体来看，美国参众两院根据领域设立了多个拨款委员会，分别负责开展系列听证会和议案投票，完成相应领域的财政经费预算的审批工作。每 1 场听证会通常只为单个机构或者单个项目举行，

通常持续2—4小时。听证会上，除拨款委员会成员外，还邀请相关领域的专家参加，通常要求机构负责人或项目负责人为该预算提案（budget request）进行合理性说明，并要求回答专家提问。听证会之后，参众两院拨款委员会会分别对每个机构或项目的预算提案进行投票，投票通过后，才可正式成为众议院议案（House Bill）或参议院议案（Senate Bill）。例如，在审批HHS有关阿尔茨海默病的2022财年预算的过程中，2021年11月10日NIA所长Richard Hodes被要求参加了众议院和参议院劳动-卫生与公众服务部拨款小组委员会的卫生小组委员会的听证会，讨论了阿尔茨海默病研究实施跨年度战略目标和临床试验报告的进展[14]。在审批HHS有关阿尔茨海默病的2023财年预算的过程中，2022年6月21日Richard Hodes和NIA相关专家就阿尔茨海默病研究和临床试验向众议院和参议院劳动-卫生与公众服务部拨款小组委员会的卫生小组委员会进行了报告。2022年12月，美国参众两院以及拜登总统先后批复了为联邦政府提供2023财年资金的法案，该法案为NIH提供475亿美元，其中包括阿尔茨海默病的研究资金37亿美元，比2022财年增加约2亿美元[15]。

（2）加强联邦机构的评估能力建设，将评估结果与预算审批进行关联。从联邦机构层面的年度目标评估制度来看，年度预算需要以上一财年的目标完成情况作为依据。2018年，美国国会颁布《2018年循证决策基础法案》⑦，将联邦机构的绩效评估能力建设提升到法律层面。以NIH为例，该法案提出了4项具体要求：① NIH对自身开展绩效评估的能力进行评价；② NIH每4年制定一份有关搜集绩效评估所需证据的计划；③ NIH颁布一份适用于整个评估周期的评估政策；④ NIH每财年制定一份年度评估计划以阐述本财年重点评估的领域，即NIH的4年期战略规划中提出的重点目标。在该法案的推动下，各联邦机构的绩效评估能力得到提升，保障了每个机构都能有效地开展对上一年度目标的评估。例如，近年来NIH获得的阿尔茨海默病相关研究的联邦财政投入逐渐增加（图1），也是得益于每年的目标都能够完成或者超额完成（表4）。

（3）通过为重要的研究议题提供长期支持，保障联邦财政投入的效能。从NIH资助阿尔茨海默病研究的预算绩效管理实践来看，美国联邦政府始终强调通过预算绩效管理推动财政科技投入的效能。这意味着，美国联邦政府十分清醒地认识到开展预算绩效管理只是手段，并不是最终目标。美国联邦财政投入科研的最终目标始终是解决美国国家经济社会发展中的重大问题，从而真正满足美国国家战略目标和公众需求。因此，美国联邦政府在预算绩效管理中始终关注财政科技投入是否投入到重要的研究主题，是否有助

表4　美国国立卫生研究院（NIH）阿尔茨海默病相关年度绩效目标的完成情况（2003—2022财年）
Table 4 NIH annual performance evaluation results for Alzheimer’s disease research from FY2003 to FY2022

	2003财年	2004财年	2005财年	2006财年	2007财年	2008财年	2009财年	2010财年	2011财年	2012财年	2013财年	2014财年	2015财年	2016财年	2017财年	2018财年	2019财年	2020财年	2021财年	2022财年
SRO-3.1	完成	完成	超额	完成	完成	完成	完成	完成	完成	完成	完成	-	-	-	-	-	-	-	-	-
SRO-5.3	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-	完成	完成	完成	完成	完成	完成	完成	完成	进展中
SRO-2.8	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-	完成	超额	超额	完成	进展中

注：“-”表示这些财年尚未启用相关绩效目标
Note: “-” means the annual targets were not used in related financial years

⑦ The Foundations for Evidence-Based Policymaking Act of 2018. (2019-01-14)[2023-01-25]. https://www.evaluation.gov/evidence-plans/summary/.

于国家经济社会发展中重大问题的解决。

近 20 年，NIH 为解决阿尔茨海默病构建的 3 个跨年度绩效目标进行实施和绩效跟踪评估，但这 3 个目标的实施并不总是一帆风顺。例如，原定于 2020 财年完成的跨年度绩效目标（SRO-5.3），由于 NIH 预期 2020 财年无法达成该目标，因而在 NIH 的 2020 财年预算报告与 HHS 的 2021 财年年度绩效报告中，将该目标的完成时间延迟至 2023 财年。SRO-5.3 目标的任务是研究确定风险和保护性等位基因，从而找到一种新的治疗方法、药物靶点或预防晚发性阿尔茨海默病的途径。这一目标的实现具有较大难度。因此，NIH 在 2020—2022 财年继续努力识别和确认与晚发性阿尔茨海默病相关的基因，并在不同种族人群中检测这些基因。可见，对于有效治疗和预防阿尔茨海默病这一重要的研究主题，即使未能达到原定的绩效目标，美国联邦政府依然继续提供经费支持，以保障对重要主题开展系统性、长期性攻关。

3 结论与启示

文章从组织动员、目标管理、绩效评估、经费投入 4 个方面介绍了美国联邦政府资助和管理阿尔茨海默病研究项目的案例，目的在于介绍美国重大科研项目资助和管理的成功经验，并由此揭示出对重大科学项目的财政科技投入既要尊重科学研究的基本规律、保证持续稳定投入，又要强化有效组织以及绩效管理——两者兼具才能保证财政科技投入的整体效能。具体来看，以下结合我国重大研究项目资助和管理的现状及问题，提出 4 条建议。

*（1）重大科学项目的实施离不开有效的组织，国家战略科技力量应在重大科研项目中发挥核心作用，并牵引相应领域内各类优秀科研力量形成合力。*从美国联邦政府资助和管理阿尔茨海默病研究项目的实践来看，这类重大项目的实施以 NIH 下属的研究所为主要依托力量：一方面，对这类机构进行长期支持，使其能够围绕该研究主题持续耕耘；另一方面，通过竞争性项目资助的方式网罗外部的大学和企业等优势科研力量，从而将全国在阿尔茨海默病研究中的优势科研力量集中到重大科研项目中。相比之下，当前我国对重大科学项目的组织过于分散，国家战略科技力量未能在应尽的职责范围发挥核心骨干作用，从而导致重大科学项目缺乏结晶核。近年来，我国大力推进国家实验室建设和国家重点实验室重组，其根本目的也是要进一步强化国家战略科技力量的使命定位，发挥好其在重大科学项目中的核心和牵引作用。未来我国可以将国家战略科技力量与重大研究项目的部署进行连接，发挥好国家战略科技力量在重大研究项目中的核心作用。

*（2）重大科学项目的实施离不开体系化的目标管理，应加强对重大科学项目的顶层规划和系统布局，保障持续稳定投入。*从本案例来看，美国联邦政府围绕阿尔茨海默病相关研究，形成了从国家规划到联邦机构战略规划、跨年度绩效目标、年度绩效目标等多个层面组成的目标体系。一方面，美国阿尔茨海默病相关国家规划每年要进行重新审议，以确保能反映科学进展并统领整个国家在这个领域的项目部署；另一方面，美国联邦机构逐层制定战略规划和具有操作性的多层次绩效目标，从而保障国家规划得以落实。相比之下，我国目前重大科技项目部署的系统性不足，项目各自为战，往往“伤其十指而不能断其一指”。为此，我国可借鉴美国做法，加强项目目标体系化管理与统筹推进。

*（3）重大科学项目的实施离不开合理的绩效评价机制，应完善对重大科学项目的内涵式诊断评价，以评价机制保障科学研究的深入推进。*美国对阿尔茨海默病研究的年度绩效目标完成情况评价是一种内涵式的诊断评价：美国联邦政府要求被评方通过多种形式向评价专家组展示研究的进展情况，提供评价所需的各类证据，以便评价专家组对研究进展情况进行多个

角度分析，真正发挥专家诊断作用，指导项目下一步研究工作。相比之下，我国项目绩效评价经常是为了完成项目的闭环管理，专家评价也多以简单的项目打分或分档为主，重形式不重内容。为此，我国可通过健全专家咨询评议机制，强化专家评议的诊断作用，发挥好评议专家的科学研究守门人职责。

（4）重大科学项目的实施离不开财政投入的保障，应强化对重大科学项目预算的问责机制，保障财政科技投入的效能。从这个案例来看，美国重大科研项目的预算评估具有很强的刚性。例如，NIH 下属 NIA 所长每年都被要求参加国会相关拨款委员会的听证会，并就下一财年阿尔茨海默病研究预算的合理性进行辩护。这种国会层面的问责机制是相对独立的，不是寻求科技界内部的认可，而是要求项目研究的经济社会价值要得到充分论证。相比之下，我国尚没有建立起针对项目预算的严格的年度问责机制。因此，我国可借鉴美国经验，由财政部等相关部门主导，或者发挥全国人大或政协专门委员会作用，开展重大项目年度预算审议与问责。

致谢 感谢中国科学院微生物研究所黄力、中国科学院上海生命科学信息中心阮梅花为本文提供的专业意见和建议！

参考文献

1 Alzheimer's Association. 2022 Alzheimer's disease facts and figures. Alzheimer's Dement 2022, 18(4): 700-789.

2 NIH. NIH Scientific Progress Report: Advancing Alzheimer's Disease and Related Dementias Research for all Populations. Bethesda: NIH, 2022.

3 NIH. NIH Professional Judgment Budget for Alzheimer's Disease and Related Dementias Research, Fiscal Year 2024—Looking Forward: Opportunities to Accelerate Alzheimer's and Related Dementias Research. Bethesda: NIH, 2022.

4 HHS. National Plan to Address Alzheimer's Disease. Washington DC: HHS. 2012.

5 HHS. National Plan to Address Alzheimer's Disease: 2021 Update. Washington DC: HHS. 2021.

6 National Institute on Aging. Strategic Directions for Research, 2020-2025. Bethesda: NIH, 2020.

7 NIH. FY2004 Final Annual Performance Plan. Bethesda: NIH, 2003.

8 NIH. FY2014 Overall Appropriations. Bethesda: NIH, 2013.

9 NIH. FY2018 Overall Appropriations. Bethesda: NIH, 2017.

10 龚旭, 夏文莉. 美国联邦政府开展的基础研究绩效评估及其启示. 科研管理, 2003, 24(2): 1-8.
Gong X, Xia L W. U.S. federal evaluation on performance and results of public-funded basic research. Science Research Management, 2003, 24(2): 1-8. (in Chinese)

11 National Academy of Sciences, National Academy of Engineering, Institute of Medicine. Evaluating Federal Research Programs: Research and the Government Performance and Results Act. Washington DC: The National Academies Press, 1999.

12 NIH. Government Performance and Results Act: Initial FY 2005 Annual Performance Plan. Bethesda: NIH, 2004.

13 NIH. Government Performance and Results Act: Final FY 2001 Annual Performance Plan. Bethesda: NIH, 2000.

14 National Institute on Aging. January 2022 Director's Status Report. Bethesda: NIH, 2022.

15 National Institute on Aging. January 2023 Director's Status Report. Bethesda: NIH, 2023.

Practice and Implications of Funding and Management of Alzheimer's Disease Research Programs in the United States Federal Government

HAN Zhiling[1,2] LI Baicun[3] XIAO Xiaoxi[1,2*] LI Xiaoxuan[1,2]

（1 Institutes of Science and Development, Chinese Academy of Sciences, Beijing 100190, China;

2 School of Public Policy and Management, University of Chinese Academy of Sciences, Beijing 100049, China;

3 School of Economics and Management, Fuzhou University, Fuzhou 350108, China）

Abstract How to fund and manage major scientific projects of scientific frontier or national needs, including topic selection, funding programs, performance evaluation, etc., is an urgent problem facing in China. In this study, the federal government of the United States funding and organizing research on the diagnosis and treatment of Alzheimer's disease was studied to reveal the key mechanisms behind its significant progress. It is found that the United States has formed a set of relatively mature and effective financial support mechanism in science and technology projects, including organization and mobilization, object management, performance evaluation, budget evaluation. This set of mechanism is the base for performance management of major scientific projects, and also the foundation of financial effectiveness. This research studied the practices and experiences of the United States. in funding and managing major scientific projects, and also raised important implication for China.

Keywords national S&T budget, Alzheimer's disease, performance management

韩志凌 中国科学院科技战略咨询研究院在读研究生。主要研究领域：科技政策、绩效评价。E-mail: hanzhiling20@mails.ucas.ac.cn

HAN Zhiling Graduate student for master degree of Institutes of Science and Development, Chinese Academy of Sciences (CAS). His main research focuses on science and technology policy and performance evaluation. E-mail: hanzhiling20@mails.ucas.ac.cn

肖小溪 中国科学院科技战略咨询研究院副研究员。主要研究领域：科技管理与评价。E-mail: xiaoxiaoxi@casisd.cn

XIAO Xiaoxi Associate Professor of Institutes of Science and Development, Chinese Academy of Sciences (CAS). Her main research fields cover science and technology management and evaluation. E-mail: xiaoxiaoxi@casisd.cn

■责任编辑：文彦杰

*Corresponding author